

Une thérapie génique efficace contre la maladie de Fabry

Par *mogirard*

Créé le 12/04/2021 - 08:55

Une thérapie génique efficace contre la maladie de Fabry

Lundi, 12/04/2021 - 07:55 [0 commentaire](#)

- [Diminuer la police](#)
- [Augmenter la police](#)
- [Imprimer](#)
- [Version PDF](#)

•

- [Tweeter](#)

•

•

0 avis :



[zoom](#)

La maladie de Fabry est héréditaire et se manifeste le plus souvent dès l'enfance. Elle est liée à la mutation d'un gène du chromosome X responsable de l'absence de l'enzyme alpha-galactosidase A, essentiel pour que le corps élimine certaines cellules grasses et toxiques pour l'organisme.

Les symptômes de la maladie de Fabry sont chroniques et peuvent être multiples : déficience visuelle, douleurs abdominales, lésions rénales, insuffisance cardiaque... Actuellement, le traitement le plus courant pour atténuer les effets de cette pathologie chronique consiste en des injections bi-mensuelles. Ce traitement lourd ne fait que combattre les symptômes, mais ne bloque pas l'évolution de la maladie.

Basée sur la thérapie génique, la nouvelle piste de traitement développée par une équipe de médecins canadiens pourrait garantir aux patients de Fabry un confort de vie nettement supérieur. Après des essais réussis chez la souris, les chercheurs ont administré le traitement en 2017 à un premier patient de 52 ans.

Le principe de cette méthode thérapeutique consiste à greffer des cellules souches à partir du sang du patient, puis de corriger le gène en laboratoire. Les cellules porteuses du gène muté sont dans le même temps détruites par des chimiothérapies administrées aux patients. Une fois que la "voie est libre", les

médecins réinjectent les cellules souches modifiées.

Depuis, le traitement a été prescrit à quatre autres patients. « À ce jour, nous pouvons dire que la thérapie génique a partiellement ou totalement restauré les niveaux d'enzymes à un point tel qu'ils ne sont plus considérés comme déficients », explique dans un communiqué le Docteur Aneal Khan de l'Université de Calgary (Canada), qui a dirigé les recherches.

D'après l'étude, trois des cinq patients ont choisi d'arrêter leur traitement par injection, trois ans après avoir reçu leur thérapie génique. Les médecins restent toutefois prudents et vont suivre leurs patients jusqu'en 2024, afin de s'assurer que l'efficacité du traitement se prolonge dans le temps.

Article rédigé par Georges Simmonds pour RT Flash

[Nature](#)

Noter cet article :

Recommander cet article :

-
- [Tweeter](#)
-

- **Nombre de consultations :** 0
- **Publié dans :** [Biologie & Biochimie](#)
- **Partager :**
 - [Facebook](#)
 - [Viadeo](#)
 - [Twitter](#)
 - [Wikio](#)

[Biologie & Biochimie enzyme Fabry gène génique malades thérapie](#)

URL source: <https://www.rtflash.fr/therapie-genique-efficace-contre-maladie-fabry/article>